



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

18/09/2020
EMA/529863/2020
EMA/H/C/5004

L-irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Upkanz (deferiprone)

Apotex B.V. irtirat l-applikazzjoni tagħha għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Upkanz għall-kura ta' newrodegenerazzjoni assoċjata ma' pantothenate kinase.

Il-kumpanija rtirat l-applikazzjoni fl-10 ta' Awwissu 2020.

X'inhu Upkanz u għal xiex kien maħsub biex jintuża?

Upkanz għe żviluppat bħala medicina għall-kura ta' newrodegenerazzjoni assoċjata ma' pantothenate kinase (PKAN), marda rari li tintiret li tikkawża ħsara fil-moħħ u tista' twassal għal kundizzjonijiet bħal distonija (moviment tal-muskoli mhux ikkontrollat), Parkinson u dimenzja. L-ewwel sinjali tal-marda jiżviluppaw fit-tfulija.

Upkanz fih is-sustanza attiva deferiprone u kellu jkun disponibbli bħala likwidu biex jittieħed mill-halq.

Upkanz kien ikklassifikat bħala 'medicina orfni' (medicina użata f'mard rari) fit-27 ta' Ġunju 2018 għall-kura tan-newrodegenerazzjoni b'akkumulazzjoni tal-hadid tal-moħħ. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija:

ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu3182034.

Kif jaħdem Upkanz?

F'pazjenti b'PKAN, hemm akkumulazzjoni ta' hadid fil-partijiet tal-moħħ, inklużi dawk involuti fil-kontroll tal-moviment. Dan l-ammont eċċessiv ta' hadid iwassal għal ħsara. Deferiprone, is-sustanza attiva f'Upkanz, huwa kelatur tal-hadid, li jfisser li jehel mal-hadid fil-ġisem. Dan iwaqqaf lill-hadid milli jikkawża ħsara u jippermettilu jitneħħa mill-ġisem, prinċipalment fl-awrina. Deferiprone kien mistenni li jidħol fil-moħħ u jgħin sabiex jipprevjeni l-akkumulazzjoni ta' hadid fiċ-ċelloli tal-moħħ u b'hekk inaqqas il-ħsara fil-moħħ.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



X'ipprezentat il-kumpanija biex tappoġġa l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat ir-riżultati ta' studju ewlieni li kien jinvolvi 89 pazjent mill-età ta' 4 snin b'PKAN. L-istudju qabbel il-bidliet fis-severità tad-distonja f'pazjenti li rċewew Upkanz ma' dawk li kienu qed jirċievu plaċebo (kura finta).

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din ġiet irtirata?

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li l-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini kienet evalwat l-informazzjoni mill-kumpanija u hejjiet mistoqsijiet għall-kumpanija. Il-kumpanija kienet għadha ma wegħbitx għall-aħħar sensiela ta' mistoqsijiet fiż-żmien tal-irtirar.

X'irrakkomandat l-Aġenzija dak iż-żmien?

Fuq il-bażi tar-reviżjoni tad-*data* u t-tweġiba tal-kumpanija għall-mistoqsijiet tal-Aġenzija, fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija kellha xi tħassib u l-opinjoni provviżorja tagħha kienet li Upkanz ma setax jiġi awtorizzat għall-kura ta' PKAN. B'mod partikolari, l-Aġenzija kienet imħassba dwar il-fatt li l-istudju prinċipali ma kienx wera b'mod ċar li l-mediċina kienet effettiva.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, l-opinjoni tal-Aġenzija kienet li, minhabba li l-effikaċja ma ġietx ippruvata, il-benefiċċji ta' Upkanz ma kinux jегħlbu r-riskji tiegħu.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

Fl-[ittra](#) tagħha li tgħarraf lill-Aġenzija bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija ddikjarat li wara t-trasferiment tal-mediċina lil kumpanija oħra, l-iżvilupp u t-tqegħid fis-suq tagħha kienu qed jiġu vvalutati mill-ġdid.

Dan l-irtirar jaffettwa pazjenti fi provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompassjoni?

Il-kumpanija għarrfet lill-Aġenzija li ma hemm l-ebda konsegwenza għall-pazjenti li bħalissa huma għaddejjin minn provi kliniċi jew fi programmi ta' użu b'kompassjoni bl-użu ta' Upkanz.